

# COMPANY RESEARCH AND ANALYSIS REPORT

|| 企業調査レポート ||

## アンジェス MG

4563 東証マザーズ

[企業情報はこちら >>>](#)

2017年6月13日(火)

執筆：客員アナリスト

佐藤 譲

FISCO Ltd. Analyst **Yuzuru Sato**



FISCO Ltd.

<http://www.fisco.co.jp>

## 目次

■ 要約	01
1. 2017年12月期第1四半期業績は研究開発費の減少により営業損失額が縮小	01
2. 2017年12月期は国内で1つの製造販売承認申請を、 海外で2つの臨床試験開始を目指す	01
3. 当面は開発ステージのため、株式市場から資金調達するフェーズが続く可能性	02
■ 会社概要	03
1. 会社沿革	03
2. 事業の特徴とビジネスモデル	04
■ 主要パイプラインの開発状況	05
1. HGF 遺伝子治療薬	06
2. NF-κB デコイオリゴ	07
3. 高血圧 DNA ワクチン	08
4. その他パイプライン	09
■ 業績動向	10
1. 2017年12月期第1四半期の業績概要	10
2. 2017年12月期の業績見通し	11
3. 財務状況	11
■ 長期ビジョン	12

## ■ 要約

### 2017年内に重症虚血肢向け HGF 遺伝子治療薬の承認申請を行う可能性が広がる

アンジェス MG<4563> は、1999年に設立された大阪大学発の創薬ベンチャー。遺伝子医薬に特化した開発を進めている。新薬候補品を開発し、販売パートナーとの販売権許諾契約によって得られる契約一時金や、開発の進捗状況等によって得られるマイルストーン収益、上市後の製品売上高にかかるロイヤリティ収入を獲得するビジネスモデルとなる。2017年7月より社名をアンジェス株式会社に変更する。

#### 1. 2017年12月期第1四半期業績は研究開発費の減少により営業損失額が縮小

2017年4月24日付で発表された2017年12月期第1四半期の事業収益は前年同期比0.1%増の83百万円、営業損失は1,035百万円（前年同期は1,183百万円の損失）となった。研究開発費が前年同期比で115百万円減少したことが損失額の縮小要因となった。ただ、特別損失として投資有価証券評価損476百万円を計上したことで、親会社株主に帰属する四半期純損失は1,511百万円と前年同期比で281百万円拡大した。

#### 2. 2017年12月期は国内で1つの製造販売承認申請を、海外で2つの臨床試験開始を目指す

主要パイプラインの今期の開発スケジュールとして、国内では重症虚血肢向け HGF 遺伝子治療薬について2017年中に「条件及び期限付承認制度」を活用した承認申請を行うことを目指している。2017年5月10日付で目標としていた6例目となる被験者への投与が開始されたと発表しており、順調にいけば秋頃には承認申請する可能性が出てきた。米国では、2017年4月にFDAより椎間板性腰痛症を対象としたNF- $\kappa$ B（エヌ・エフ・カッパ・ビー）デコイオリゴDNAの第1b相臨床試験開始について承認が下り、準備が整い次第、臨床試験に入る予定となっている。また、重症虚血肢向け HGF 遺伝子治療薬については、第3相臨床試験開始に向けた試験計画の策定を進めている段階にある。さらには、高血圧 DNA ワクチンの第1相臨床試験を、オーストラリアで2017年半ばにも開始する方向で現在、準備を進めている。新規プロジェクトとしては、2017年4月に米 Vical Incorporated<VICL>（米 NASDAQ 上場、以下、Vical）と慢性 B 型肝炎の治癒を目指した遺伝子治療薬の共同開発で合意し、契約締結したことを発表した。今後1年程度をかけて動物実験でその効果を確認していく予定となっており、その動向が注目される。同社は日本での開発・販売に関する優先交渉権を獲得している。

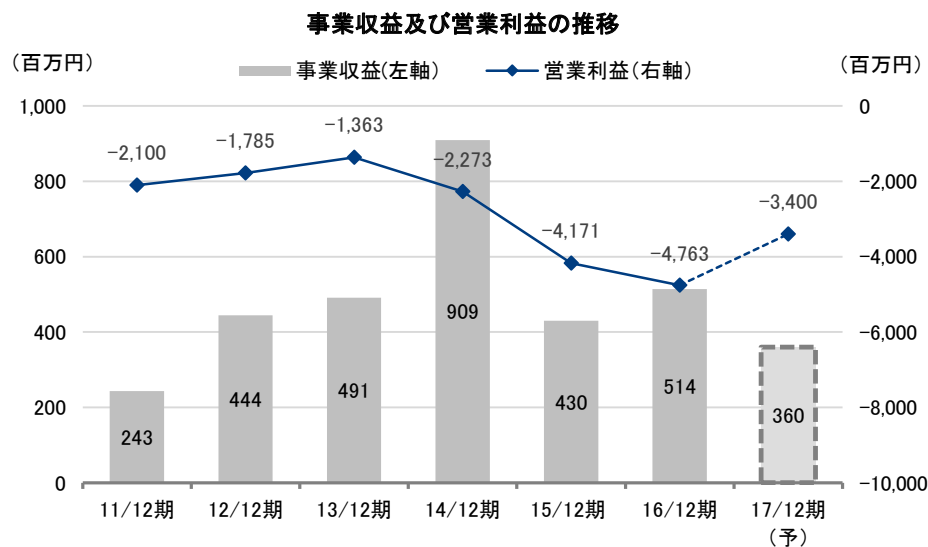
## 要約

**3. 当面は開発ステージのため、株式市場から資金調達するフェーズが続く可能性**

2017年12月期の業績は、ライセンス契約一時金やマイルストーン収益などの計上予定がなく、営業損失で3,400百万円（前期は4,763百万円の損失）が見込まれる。前期よりは損失額が縮小するものの依然、費用が先行する状況に変わらない。2017年12月期第1四半期の現預金は890百万円の水準となっているため、今後は2017年1月に発行した第三者割当による新株予約権の行使によって事業活動資金を調達していくことになる。2018年以降は既存パイプラインのライセンス契約やマイルストーン収益の獲得などで、財務状況も改善に向かう可能性はあるものの、引き続き損失が続く状況に変わりはなく、株式市場から資金調達を行う可能性がある点には留意しておく必要がある。

**Key Points**

- ・ 大阪大学発のバイオベンチャーで、遺伝子医薬に特化した開発を進める
- ・ HGF 遺伝子治療薬の医師主導型臨床研究で目標としていた6例目の投与が開始される
- ・ 研究開発費の減少により2017年12月期の損失額は縮小見込み



出所：決算短信よりフィスコ作成

## ■ 会社概要

### 大阪大学発のバイオベンチャーで、 遺伝子医薬に特化した開発を進める

#### 1. 会社沿革

同社は1999年に設立された大阪大学発のバイオベンチャーである。創業者で当時、同大学医学部の助教授であった森下竜一（もりしたりゅういち）氏（現 大阪大学大学院 医学系研究科 臨床遺伝子治療学寄附講座 教授）らの研究チームが、1995年にHGF 遺伝子（肝細胞増殖因子）の投与による血管新生作用を発見し、この研究成果を事業化することを目的に設立された。

HGF 遺伝子治療薬では2001年に第一製薬（株）（現第一三共<4568>）と独占的販売権許諾契約を結んだが、その後提携関係を解消しており、代わりに田辺三菱製薬<4508>と2012年に米国市場、2015年に国内市場で末梢性血管疾患を対象とした独占的販売権許諾契約を締結し、上市に向けた開発を進めている。

もう1つの主力開発品である核酸医薬品のNF- $\kappa$ B デコイオリゴは、アトピー性皮膚炎（顔面で中等症以上の患者が対象）治療薬として開発を進め、2005年にアルフレッサファーマ（株）と共同開発契約を締結したが、開発方針の転換により2008年に共同開発契約を終了。2010年に塩野義製薬<4507>と独占販売権許諾契約を締結した。2016年7月に臨床試験の結果で主要評価項目においてプラセボ群に対する統計学的な有意差が得られなかったため、今後の開発方針を検討すべく、詳細なデータの検証を行っているところである。なお、2012年からメディキット<7749>とNF- $\kappa$ B デコイオリゴを薬剤とした薬剤塗布型バルーンカテーテルの共同開発を進めてきたが、臨床試験の結果、既存のバルーンカテーテル群との統計的有意差が得られなかったため2016年12月に共同開発を終了している。

また、2016年には第3のパイプラインとして開発を進めているDNA ワクチン領域において、開発実績や製造ノウハウを持つVicalに追加出資（出資比率2.4%→18.6%）を行い、戦略的事業提携を締結している。

このほか、導入品として、希少疾病であるムコ多糖症VI型治療薬「ナグラザイム」の国内販売権を、米バイオマリンファーマシューティカル（以下、バイオマリン）から2006年に取得し、2008年より販売を開始したほか、2013年に韓国バイオリーダーズから導入したCIN 治療ワクチンについて、2016年12月に森下仁丹<4524>に独占的開発・製造・販売権の再許諾を行う契約を締結している。

連結子会社は2社あり、米国子会社はHGF 遺伝子治療薬の開発拠点として、英国子会社は欧州地域における情報収集やライセンス活動の拠点として事業活動を行っている。ただ、いずれも規模は小さく、連結業績に与える影響は軽微となっている。

なお、同社は2017年7月より会社名をアンジェス株式会社に変更することを発表している。2001年にメドジェン バイオサイエンス株式会社からアンジェス MG 株式会社に変更し、その後15年余りが経過して、製薬業界やステークホルダーにアンジェスの名称が十分定着したと判断したことによる。

## 会社概要

## 会社沿革

年月	沿革
1999年12月	遺伝子治療薬、核酸医薬及び遺伝子の機能解析を行う研究用試薬の研究開発を目的として設立
2001年10月	米国での臨床開発を目的として、アンジェス インク（連結子会社）を設立
2002年 6月	欧州での臨床開発を目的として、英国にアンジェス ユーロ リミテッド（連結子会社）を設立
2002年 9月	東京証券取引所マザーズ市場に上場
2006年12月	ムコ多糖症VI型治療薬（ナグラザイム）の国内での販売に関し、米国バイオマリン ファーマシューティカルと提携
2008年 4月	ムコ多糖症VI型治療薬の国内での販売開始
2010年12月	NF- $\kappa$ B デコイオリゴのアトピー性皮膚炎分野において、塩野義製薬（株）と共同開発するライセンス契約を締結
2012年10月	田辺三菱製薬との間で HGF 遺伝子治療薬の米国における末梢性血管疾患を対象とした独占的販売権許諾契約を締結
2013年 4月	韓国バイオリーダーズと CIN 治療ワクチンの国内外における開発・製造・販売の独占的実施許諾契約を締結
2014年10月	HGF 遺伝子治療薬の国際共同第3 相臨床試験開始（2016年6月に中断、開発方針を変更）
2015年 6月	田辺三菱製薬との間で HGF 遺伝子治療薬の国内における末梢性血管疾患を対象とした独占的販売権許諾契約を締結
2015年10月	DS ファーマアニマルヘルス（株）と高血圧 DNA ワクチンの動物用医薬品に関する共同開発契約を締結
2016年 6月	CIN 治療ワクチンの開発・製造・販売権を森下仁丹に再許諾
2016年 7月	新たなドラッグデリバリーシステムについて大阪大学と共同研究契約を締結
2016年 8月	米国 Vical に追加出資（出資比率 2.4% → 18.6%）
2016年12月	DNA ワクチン分野で米国 Vical と戦略的提携契約を締結

出所：有価証券報告書よりフィスコ作成

## 2. 事業の特徴とビジネスモデル

同社の事業の特徴は、遺伝子の働きを活用した医薬品である遺伝子治療薬、核酸医薬、そして DNA ワクチンを遺伝子医薬として定義し、その研究開発に特化していることにある。開発の対象疾患は、社会的な使命であると同時に確実な需要が存在する「難治性疾患」や「有効な治療法がない疾患」としている。また、自社開発品以外にもこうした事業方針と合致する開発候補品を海外のベンチャーや大学等の研究機関から導入し、開発パイプラインの強化とリスク分散を行っている。

同社は研究開発に特化しており、原薬の製造は外部の専門機関に委託している。また、販売についても開発品や地域ごとに大手製薬企業と販売権許諾契約を締結し、上市後も自社販売は行わないことを基本戦略とする。このため連結従業員数は、2016年12月末時点で55名と小規模となっている。なお、現在販売している商品は、バイオマリンから導入しているナグラザイムのみで、自社開発品の上市実績はまだない。

同社のビジネスモデルは、遺伝子医薬の開発を行い、開発の過程で販売権許諾契約（または共同開発・販売権許諾契約）をパートナー企業と締結することで得られる契約一時金収入、開発の進捗に応じて得られるマイルストーン収入及び上市後の製品売上高に対して一定料率で発生するロイヤリティ収入で収益を獲得していくモデルとなる。臨床試験の規模や期間は対象疾患等によって異なってくるが、第1相から第3相試験までおよそ3～7年程度かかると言われている。臨床試験の結果が良ければ、規制当局に製造販売の承認申請を行い、おおむね1～2年の審査期間を経て問題がなければ承認、上市といった流れとなる。

現在は開発ステージのため収益も損失が続いているが、開発品が上市されれば利益化も視野に入ってくる。特に主要開発パイプラインである HGF 遺伝子治療薬や NF- $\kappa$ B デコイオリゴについては、自社主導の開発と先行投資を行っているため、ロイヤリティ料率も一般的な水準より高く設定されており、上市後の収益へのインパクトも大きくなることが予想される。

アンジェス MG | 2017年6月13日(火)  
 4563 東証マザーズ | <http://www.anges-mg.com/ir/>

## 会社概要

## 一般的な新薬開発のプロセスと期間

プロセス	期間	内容
基礎研究	2~3年	医薬品ターゲットの同定、候補物質の創製及び絞り込み
前臨床試験	3~5年	実験動物を用いた有効性及び安全性の確認試験
臨床試験	3~7年	第1相：少数の健康人を対象に、安全性及び薬物動態を確認する試験 第2相：少数の患者を対象に、有効性及び安全性を確認する試験 第3相：多数の患者を対象に、有効性及び安全性を最終的に確認する試験
申請・承認	1~2年	国（厚生労働省）による審査

出所：有価証券報告書よりフィスコ作成

## ■ 主要パイプラインの開発状況

### HGF 遺伝子治療薬の医師主導型臨床研究で 目標としていた6例目の投与が開始される

同社の主要開発パイプラインは、HGF 遺伝子治療薬、NF- $\kappa$ B デコイオリゴ、DNA 治療ワクチンなどがある。各パイプラインの概要と今後の開発方針は以下のとおり。

## 主要パイプラインの開発スケジュール

プロジェクト	適応症	地域	2015年	2016年	2017年	2018年	2019年	提携先	市場規模
HGF遺伝子治療薬	重症 虚血肢	日本	医師主導臨床 研究実施中		条件及び期間 付承認申請	条件及び期間付承認、上 市、本承認へ		田辺三菱製薬 (日本、米国)	中~大
		米国	グローバル第3相 試験中断		新たな第3相試験の計画、策定中				大
	リンパ浮腫	日本	第1/2相試験 (原発性)		次の開発ステージへ移行、ライセンス契約等			-	中
NF- $\kappa$ Bデコイオリゴ	椎間板性 腰痛症	米国			2017年内に第1/2相 試験を実施予定	次の開発ステージへ移 行、ライセンス契約等		-	大
NF- $\kappa$ Bデコイオリゴ (軟膏剤)	アトピー性 皮膚炎	日本		治療で統計的 有意差得られず今後の 開発方針を検討				塩野義製薬 (全世界)	小~中
DNA治療ワクチン	高血圧症	世界			2017年春に第1相試験を オーストラリアで実施予定			-	大

出所：決算説明資料及び会社ヒアリングよりフィスコ作成

## 1. HGF 遺伝子治療薬

### (1) 重症虚血肢

HGF 遺伝子治療薬では血管新生作用の効果を活用して、重症虚血肢とリンパ浮腫を対象とした開発を進めている。なかでも注目されているのが、重症虚血肢向けのプロジェクトとなる。重症虚血肢の患者数は米国だけで推定 50 万人とみられ、このうち現在の治療法（血管内治療や外科的バイパス手術）の適応とならない患者、あるいはこれら治療法を行うリスクが高いと判断される患者数は 10～20 万人（国内では 1～2 万人）と推定されており、こうした患者を対象とした場合の市場規模は約 50 億ドルと推計されているためだ。

重症虚血肢とは、安静時でも疼痛を感じる重度の末梢性血管疾患を指す。血管が閉塞することによって血流が止まり、下肢切断を余儀なくされることもある重篤な疾患となる。HGF 遺伝子治療薬を血管が詰まっている部位周辺に注射投与することによって新たな血管を作り出し、血管新生による血流回復によって症状の改善を図る効果が期待されている。

国内では大阪大学医学部附属病院が主導となり、先進医療 B 制度を活用した医師主導型臨床研究を実施しており、必要なデータがまとまった段階で条件及び期限付承認制度を活用した承認申請を行う予定となっている。治験デザインとしては 1 ヶ月ごとに 2 回投与し、2 ヶ月の観察期間（投与開始から観察期間終了まで 12 週間）を設けている。主要評価項目としては、「痛み、潰瘍の改善」を挙げている。2014 年 10 月に 1 例目の投与が開始されて以降、長らく時間が掛かったが、2017 年 5 月 10 日付で目標としていた 6 例目となる被験者への投与が開始されたことを発表している。複数の医療施設で臨床研究が実施されたため、各症例のデータを大阪大学医学部附属病院が取りまとめ、分析・評価を行うことになる。症例数が少ないことから、分析・評価には時間は要しないものと考えられ、結果が良好であれば秋頃にも承認申請を行い、2018 年秋頃には条件付承認が得られる見通しとなっている。

一方、海外では 2014 年 10 月から実施してきた第 3 相のグローバル臨床試験を 2016 年 6 月に中止し、現在は米国市場での承認取得を目指すべく、協業先である米スタンフォード大学※で過去の臨床試験データの解析を行い、新試験の計画を策定している段階にある。試験計画がまとまり次第、米食品医薬品局（FDA）との協議を経た後、第 3 相臨床試験開始を目指していく。今回はより小規模、短期間の試験を目指し、主要評価項目は国内とほぼ同様に「痛みや潰瘍の改善」として FDA と協議を進めていく方針となっている。このため、臨床試験費用も従来より少額で実施が可能となる。治験はスタンフォード大学医学部を中心に限られた少数の施設で実施することを想定している。なお、欧州市場についてはある段階で、EMA（欧州医薬品庁）との協議を開始する意向となっている。

※スタンフォード大学医学部内にある SLDDDRS (Stanford Laboratory for Drug, Device Development & Regulatory Science) と呼ばれる組織と協業している。SLDDDRS は、同大医学部の Ronald G. Pearl 教授が中心となり、革新的な医薬品・医療機器の開発戦略の構築、臨床試験に関する新たな手法の開発と推進、そのために必要なスタンフォード大他組織との連携などを手掛けている。



## 主要パイプラインの開発状況

**(2) 原発性リンパ浮腫**

原発性リンパ浮腫向けでは、HGF 遺伝子治療薬の投与により「リンパ管の新生」作用が動物実験において確認されており、2013年10月より POC※の確認を目的に国内で第1/2相の臨床試験を開始、2016年4月に最後の症例登録が完了している。症例数は約20症例で、観察期間は投与開始から1年間となっている。浮腫の体積変化や QOL（生活の質）等を経時的に評価しており、2017年4月に臨床試験が終了している。同社では、データ解析を行って POC が確認されれば、次の開発ステージ（更なる臨床試験の実施やライセンス契約等）の方針を発表する予定にしている。なお、リンパ浮腫を対象疾患とした遺伝子治療薬の臨床試験は世界で初めてで、開発意義の高さから費用の一部について NEDO（新エネルギー・産業技術総合開発機構）の補助金が充てられている。

※ POC（Proof of Concept）…研究で予測された開発段階にある新薬の有効性を動物あるいはヒトで実証すること。

リンパ浮腫とは、リンパ管の障害によりリンパ流が停滞することで手足等が高度に腫れる疾患のことで、日本における推定潜在患者数は原発性リンパ浮腫で約3,000人、二次性リンパ浮腫で10万人以上とみられる。二次性リンパ浮腫に関しては、子宮がんや乳がん術後の発生率が高く、最近では加齢によるリンパ浮腫も増加傾向にある。治療法は理学療法（弾性着衣、リンパマッサージ等）、薬物治療、手術などがあるが根治療法はいまだなく、HGF 遺伝子治療薬がその候補として期待されている。

**2. NF-κB デコイオリゴ**

NF-κB デコイオリゴは、人工核酸により遺伝子の働きを制御する「核酸医薬」の一種で、生体内で免疫・炎症反応を担う「転写因子 NF-κB」に対する特異的な阻害剤となる。主に NF-κB の活性化による過剰な免疫・炎症反応を原因とする疾患の治療薬として、研究開発を進めている。

**(1) 椎間板性腰痛症（注射投与）**

椎間板性腰痛症を適応症とした治療薬となり、患部に注射投与することによって、慢性腰痛に対する鎮痛効果とともに、椎間板変性に対しても進行抑制や修復を促す効果が期待できる新タイプの腰痛治療薬として米国での開発を進めている。米国では患者数が多いだけでなく、椎間板内注射による治療法が一般的となっており、手技に習熟している医師が多いためだ。2017年3月に FDA に申請していた第1b相臨床試験開始届けが4月に承認され、準備が整い次第、臨床試験をカリフォルニア州立大学サンディエゴ校等において開始する予定となっている。症例数は24症例で、試験期間は1年程度で終了する見込み。2019年には結果が判明し、POC を取得できればライセンスアウト交渉を進めていく方針である。

**(2) アトピー性皮膚炎（軟膏剤）**

アトピー性皮膚炎患者のうち、顔面に中等症以上の皮疹を有する患者を対象に第3相臨床試験を国内で実施してきたが、主要評価項目においてプラセボ群に対する統計学的有意差が得られなかったため2016年7月に承認申請を断念、現在は臨床試験のデータを検証し、今後の開発方針を検討している段階にある。

#### 主要パイプラインの開発状況

現状では、アトピー性皮膚炎患者の中でもある特定の症状の患者に対しては、薬効が認められるデータ結果が得られており、同症状に絞って開発を継続していく可能性もある。ただ、対象患者数は当初想定 of 8～9万人から2万人程度に減少するため、仮に上市まで進んだとしても収益性の面で厳しくなる。一方、ステロイドよりも副作用が少ないといった長所を生かして、市場規模を拡大できる可能性もある。同社はこうした点を踏まえ、販売提携先である塩野義製薬の意向も確認しながら、今後の開発方針を決定することにしている。

#### (3) 改良型デコイ「キメラデコイ」の製品開発を開始

同社は2016年7月に、改良型デコイ「キメラデコイ」の基盤技術開発を完了し、製品開発を開始したと発表した。従来のNF- $\kappa$ Bデコイオリゴと比較して、格段に高い炎症抑制効果が動物実験で明らかとなっているほか、生体内での安定性に優れ、かつ生産コストも低くなるといった長所を持つ。炎症抑制効果が高くなるのは、「キメラデコイ」がSTAT6とNF- $\kappa$ Bという炎症に関わる2つの重要な転写因子を同時に抑制する働きを持つためだ。生産コストについては薬剤の分子量に依存するが、「キメラデコイ」はNF- $\kappa$ Bデコイオリゴと比較して分子量が3～4割少ないため、生産コストも低くなるようだ。

同社では「キメラデコイ」に現在、大阪大学と共同で研究開発を進めている新規DDS※を組み合わせ、さらに薬効の高い治療薬の開発を進めていく方針で、できるだけ早期に前臨床試験を開始したい考えだ。具体的な対象疾患としては、喘息、慢性関節リウマチ、変形性関節症、クローン病（炎症性腸疾患）などの炎症性疾患を想定している。なお、既に開発が進行中の椎間板性腰痛症については既存のNF- $\kappa$ Bデコイオリゴで開発を継続するが、今後新たに開発するものに関しては基本的に「キメラデコイ」で進めていくことになる。

※ DDS (ドラッグデリバリーシステム) …目標とする患部に薬物を効果的かつ集中的に送り込む技術。薬剤を膜などで包むことにより、途中で吸収・分解されることなく患部の細胞に到達させ、患部で薬剤を放出して治療効果を高める手法。

### 3. 高血圧 DNA ワクチン

DNA 治療ワクチンの1つとして、高血圧症を対象としたDNAワクチンの開発を進めている。大阪大学の森下教授の研究チームにより基本技術が開発されたもので、昇圧作用を有する生理活性物質アンジオテンシンIIに対する抗体の産生を誘導し、アンジオテンシンIIの作用を減弱させることで、長期間安定した降圧作用を発揮するワクチンとなる。

高血圧治療薬の市場規模は国内だけでも5,000億円以上、世界では数兆円規模となっており、この一部を代替することを目指している。現在主力の治療薬としてはARB（アンジオテンシンII受容体拮抗薬（経口薬））があるが、毎日服用する必要があるほか薬価も高い。このため、発展途上国では医療経済上の問題から使用が限定的となっている。一方、同社が開発するDNAワクチンは1回の治療で長期間の薬効が期待できるため、トータル治療コストは低くなる可能性があり、開発に成功すれば発展途上国も含めて普及拡大が期待される。

同社では第1相臨床試験を2017年半ばにオーストラリアで開始すべく、関係当局と協議を進めている段階にある。第1相臨床試験は小規模なものとなり、安全性や副作用等の確認を行う。前臨床試験では、特に問題は見られなかった。同プロジェクトに関しては、海外のグローバル製薬企業の関心も高く、POCを取得した段階でライセンス契約が決まる可能性もあるだけに、今後の開発動向が注目される。

## 主要パイプラインの開発状況

なお、DNA ワクチンに関しては出資先である Vical と 2016 年 12 月に戦略的事業提携契約を締結している。アンジェスは DNA ワクチン分野を、遺伝子治療薬及び核酸医薬に次ぐ第 3 の柱として育成していく考えで、そのために DNA ワクチンで長年の経験と広範な知識・開発ノウハウを持ち、製造設備も保有する Vical は最良のパートナーと判断したためだ。同社は今後、Vical と DNA ワクチン分野での研究開発、製造、薬事などを対象に幅広く事業協力を進めていく。

なお、高血圧 DNA ワクチンについては、犬慢性心不全を対象とした動物用医薬品としての開発\*を行っているほか、東京大学医学部附属病院の寄付講座において、脳梗塞や心筋梗塞の発症率を低下させる効果があることなども研究成果として挙げており、同病院の研究グループにて論文も発表されている。

\*大日本住友製薬 <4506> の子会社、DS ファーマアニマルヘルス（株）と 2015 年 10 月に共同開発契約締結を発表している。

## 4. その他パイプライン

## (1) エボラ出血熱抗血清製剤

エボラ出血熱に対する抗血清製剤の開発を 2015 年より進めている。エボラ出血熱ウイルスのタンパク質をコードとする DNA ワクチンをウマに接種し、その血清に含まれる抗体を精製して抗血清製剤を製造する。DNA ワクチン技術を保有する Vical より国内の独占の開発販売権を取得し、現在は、ワクチンと感染症の研究開発で世界有数の施設を持つカナダのサスカチュワン大学と共同で、本製剤の特性、品質の検証を進めている段階にある。既に試験管レベルでの薬効は確認されており、今後動物試験での検証を行う計画となっている。主に罹患者の治療用や感染リスクの高い医療従事者等の携帯用、備蓄用等の緊急対策用の需要を想定している。

## (2) 慢性 B 型肝炎遺伝子治療薬

新たな開発パイプラインとして同社は、提携先である Vical と慢性 B 型肝炎遺伝子治療薬の共同開発を行うことで合意し、2017 年 4 月 4 日付で契約締結したことを発表した。今後、1 年程度をかけてマウスを使った実験を共同で実施し、同遺伝子治療薬の薬効を確認していく。効果が確認された場合には、次の段階に進むことになるが、同社は今回の契約により、日本における開発・販売権を対象とした優先交渉権を獲得している。

B 型肝炎の持続的な感染者（キャリア）は国内だけで 130 万人以上、世界では約 3.5 億人と言われており、その多くは発症していないが、一部の感染者は慢性肝炎を発症し、肝硬変や肝臓がん等の重篤な疾患に至る場合がある。現在の標準的な治療としてはウイルス活動を抑制する抗ウイルス剤の投与が行われているが、完治はせず患者は生涯、薬剤を服用する必要がある。これに対して今回、共同開発する遺伝子治療薬は完全治癒を目的としたもので、Vical が持つ遺伝子導入技術を使って特定の DNA 断片を肝臓の細胞内に取り入れ、B 型肝炎ウイルスを排除することを目指している。

## 業績動向

### 2017年12月期第1四半期は計画どおりの進捗だが、投資有価証券評価損の計上で親会社株主に帰属する四半期純損失は拡大

#### 1. 2017年12月期第1四半期の業績概要

2017年12月期第1四半期の連結業績は、事業収益で前年同期比0.1%増の83百万円、営業損失で1,035百万円（前年同期は1,183百万円の損失）、経常損失で1,030百万円（同1,230百万円の損失）、親会社株主に帰属する四半期純損失で1,511百万円（同1,230百万円の損失）となった。

事業収益の内訳を見ると、「ナグラザイム」の売上高が前年同期比1.7%増の83百万円、研究開発事業収益は同97.3%減の0.03百万円と計画どおりの進捗となった。事業費用のうち、売上原価は前年同期比4.1%減の40百万円となったが、これは商品仕入時の為替変動によるものとなっている。また、研究開発費は同11.7%減の875百万円となった。NF-κBデコイオリゴのアトピー性皮膚炎治療薬の臨床試験やHGF遺伝子治療薬のグローバル臨床試験にかかる費用が減少したことが主因となっている。販管費については租税公課の減少などにより、同13.1%減の203百万円となった。これら事業費用の減少に伴い、営業損失は前年同期と比較して148百万円縮小した。

営業外で為替差損益が前年同期比36百万円改善したほか、株式交付費も14百万円減少したことで、経常損失額は同200百万円縮小した。ただ、特別損失としてVicalの株価下落に伴う投資有価証券評価損476百万円を計上したため、親会社株主に帰属する四半期純損失は同281百万円拡大する格好となった。

#### 2017年12月期第1四半期連結業績

(単位：百万円)

	16/12期1Q		17/12期1Q	
	実績	実績	前年同期比	増減額
事業収益	83	83	+0.1%	0
売上原価	42	40	-4.1%	-1
研究開発費	991	875	-11.6%	-115
販管費	233	203	-13.0%	-30
営業利益	-1,183	-1,035	-	148
経常利益	-1,230	-1,030	-	200
特別損益	7	-476	-	-483
親会社株主に帰属する四半期純利益	-1,230	-1,511	-	-281

出所：決算短信よりフィスコ作成

## 研究開発費の減少により 2017年12月期の損失額は縮小見込み

### 2. 2017年12月期の業績見通し

2017年12月期の業績は、事業収益で360百万円、営業損失、経常損失、親会社株主に帰属する当期純損失はいずれも3,400百万円となる見通し。事業収益については「ナグラザイム」の売上見込みだけを計画に入れている。一方、費用面ではNF-κBデコイオリゴ(アトピー性皮膚炎治療薬)の臨床試験関連費用がなくなることを主因に、研究開発費が前期の4,188百万円から2,700～2,800百万円まで減少する見込みとなっており、営業損失額もほぼ同額分が縮小する計画となっている。

#### 2017年12月期連結業績見通し

(単位：百万円)

	16/12期		17/12期	
	実績	会社計画	会社計画	前期比増減額
事業収益	514	360	360	-154
研究開発費※	4,188	2,750	2,750	-1,438
営業利益	-4,763	-3,400	-3,400	+1,363
経常利益	-4,847	-3,400	-3,400	+1,447
親会社株主に帰属する当期純利益	-4,776	-3,400	-3,400	+1,376

※ 2017年12月期の研究開発費は会社ヒアリングよりフィスコ推計  
 出所：決算短信よりフィスコ作成

## 今期中に再度、株式市場から資金調達を行う可能性がある

### 3. 財務状況

2017年12月期第1四半期末の財務状況を見ると、総資産は前期末比688百万円減少の3,850百万円となった。主な増減要因を見ると、流動資産では現預金が104百万円減少したほか、前渡金が251百万円、売掛金が158百万円減少した。固定資産では、Vicalの株式評価減に伴って投資有価証券が30百万円減少した。

一方、負債は前期末比106百万円減少の562百万円となった。HGF 遺伝子治療薬の国内臨床試験にかかる費用の支払いにより、買掛金が80百万円減少したほか、未払法人税等が72百万円減少した。また、純資産は前期末比581百万円減少の3,287百万円となった。新株予約権の行使に伴い資本金及び資本剰余金がそれぞれ237百万円増加し、その他有価証券評価差額金が446百万円増加したが、親会社株主に帰属する四半期純損失1,511百万円の計上により利益剰余金が減少した。

## 業績動向

第1四半期末の現預金は890百万円となっており、今期の事業活動資金を賄うためには資金調達が必要となる。当面は2017年1月に発行した第三者割当による新株予約権の行使によって事業資金を調達していくことになる。2017年4月は40万株分が行使され、88百万円を調達している。残りの行使可能株数は550万株で、行使価額は株価水準によって変動することになる。仮に250円を平均行使価額とすると14億円弱を調達できる計算となるが、通期業績が会社計画通りに推移するならば、株式市場から再度資金調達を行う可能性が高く、1株当たりの株主価値が希薄化するリスクがある点には留意しておく必要がある。

同社ではこうした財務状態を鑑みて、今後は開発プロジェクトの絞り込みを行うとともに、開発早期段階でのライセンスアウトを行うことで、開発コストの削減や資金の獲得を図っていく方針を示している。なお、同社は期間損失が続くなかで財務状況も厳しい状況にあることから、2016年12月期の決算短信において、継続企業の前提に関する注記を付している。

## 連結貸借対照表

(単位：百万円)

	14/12期	15/12期	16/12期	17/12期 1Q	前期末比
流動資産	7,593	4,242	3,619	2,969	-650
(現預金)	6,017	2,074	995	890	-104
固定資産	589	509	919	881	-38
総資産	8,183	4,751	4,539	3,850	-688
負債	449	530	669	562	-106
(有利子負債)	-	-	-	-	-
純資産	7,734	4,221	3,869	3,287	-581
経営指標					
自己資本比率	93.2%	87.8%	85.0%	84.7%	
有利子負債比率	-	-	-	-	

出所：決算短信よりフィスコ作成

## 長期ビジョン

### 遺伝子医薬のグローバルリーダーとなり、 売上高 500 億円以上を目指す

同社は長期ビジョンとして2025年ビジョンを策定している。主な目標として、遺伝子医薬のグローバルリーダーとして、世界で認知される遺伝子治療・核酸医薬のスペシャリストとなること、治療法のない病気の新薬を実用化すること、売上高で500億円以上を達成することの3つを掲げている。黒字化の時期は現在の開発パイプラインの進捗状況次第となるが、特に、米国での重症虚血肢治療薬の開発に成功した場合には、数十億円規模のマイルストーン収益(既に受領した契約一時金含む)が得られる見通しとなっており、今後の開発動向が注目される。

#### 重要事項（ディスクレーマー）

株式会社フィスコ（以下「フィスコ」という）は株価情報および指数情報の利用について東京証券取引所・大阪取引所・日本経済新聞社の承諾のもと提供しています。“JASDAQ INDEX”の指数値及び商標は、株式会社東京証券取引所の知的財産であり一切の権利は同社に帰属します。

本レポートはフィスコが信頼できると判断した情報をもとにフィスコが作成・表示したものです。その内容及び情報の正確性、完全性、適時性や、本レポートに記載された企業の発行する有価証券の価値を保証または承認するものではありません。本レポートは目的のいかんを問わず、投資者の判断と責任において使用されるようお願い致します。本レポートを使用した結果について、フィスコはいかなる責任を負うものではありません。また、本レポートは、あくまで情報提供を目的としたものであり、投資その他の行動を勧誘するものではありません。

本レポートは、対象となる企業の依頼に基づき、企業との電話取材等を通じて当該企業より情報提供を受けていますが、本レポートに含まれる仮説や結論その他全ての内容はフィスコの分析によるものです。本レポートに記載された内容は、資料作成時点におけるものであり、予告なく変更する場合があります。

本文およびデータ等の著作権を含む知的所有権はフィスコに帰属し、事前にフィスコへの書面による承諾を得ることなく本資料およびその複製物に修正・加工することは堅く禁じられています。また、本資料およびその複製物を送信、複製および配布・譲渡することは堅く禁じられています。

投資対象および銘柄の選択、売買価格などの投資にかかる最終決定は、お客様ご自身の判断でなさるようお願いいたします。

以上の点をご了承の上、ご利用ください。

株式会社フィスコ